

EL MUNDO DE LA HEMOFILIA

www.wfh.org | www.hemophiliaworld.org

EN ESTE NÚMERO

Noveno Foro mundial de la FMH

Congreso Mundial 2016 de la FMH: Un programa diverso e innovador

Liderazgo en capacitación: Una historia de Sudáfrica

La necesidad de la vigilancia para el manejo de inhibidores



FMH

FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA

AMPLIACIÓN DEL PROGRAMA DE AYUDA HUMANITARIA DE LA FMH

Transformar las vidas de quienes más lo necesitan
páginas 8 y 9





Congreso Mundial 2016 de la FMH: Un programa diverso e innovador le espera



El Congreso Mundial 2016 de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) se celebra solamente cada dos años y tendrá lugar en Orlando, del 24 al 28 de julio de 2016. Esta reunión constituye una plataforma mundial única para compartir conocimientos y experiencia sobre el tratamiento y control de la hemofilia y otros trastornos de la coagulación hereditarios. La FMH tiene el gusto de ser la organizadora del evento, en alianza con la Fundación Nacional de Hemofilia (NHF por sus siglas en inglés), nuestra anfitriona.

/Helene Fasciano Lussier, GERENTE DE CONGRESOS Y REUNIONES

La colaboración a todos los niveles de los comités organizadores del Congreso Mundial 2016 de la FMH ha sido extraordinaria a fin de garantizar que el programa represente adecuadamente a la totalidad de la comunidad mundial de trastornos de la coagulación. El programa abarca una amplia gama de temas y experiencias de interés para un extenso público, desde pacientes hasta médicos especialistas.

En total habrá 10 sesiones de desarrollo profesional, 10 sesiones plenarias, dos sesiones con información actualizada sobre estudios clínicos, 52 sesiones generales y 12 sesiones basadas en resúmenes de artículos de investigación.

El Congreso arrancará el domingo 24 de julio con sesiones y talleres de desarrollo profesional de medio día y día completo. Además de las habituales sesiones sobre enfermería, aspectos psicosociales, ortopedia y fisioterapia, los comités de la FMH han creado nuevas e interesantes presentaciones para este congreso.

Los comités de enfermería y aspectos psicosociales de la FMH iniciarán sus respectivos encuentros con una sesión combinada de dos horas y media sobre asesoría genética. Los comités de la FMH sobre ciencias de laboratorio y sobre enfermedad de Von Willebrand (EVW) y otros trastornos de la coagulación también han combinado sus esfuerzos en el diseño de un taller de tres horas sobre temas actuales en el diagnóstico y tratamiento de la EVW. Entre las novedades se cuentan un taller sobre investigación y epidemiología y otro sobre datos e información demográfica.

Del lunes al jueves, cada día del Congreso iniciará con una plenaria general. La FMH tiene el gusto de anunciar que Michael Lutomski, anterior gerente de riesgo de la Estación Espacial Internacional (EEI) de la NASA, será huésped especial y ponente de la plenaria del miércoles 27 de julio de 2016. Como encargado del riesgo, Lutomski se ocupó de la definición e implementación de procesos cualitativos y cuantitativos de la gestión del riesgo entre las organizaciones y las entidades internacionales participantes en el programa de la EEI. Se retiró de la NASA en 2013 y empezó a colaborar con

Space Exploration Technologies, o SpaceX, ocupando el cargo de director de seguridad y riesgo del sistema.

Por primera vez en un Congreso Mundial de la FMH, a la plenaria general seguirán dos plenarias concurrentes sobre temas médicos y multidisciplinarios. Una de las plenarias médicas abordará la hemostasia primaria y estará a cargo del doctor Rodney Camire, profesor adjunto de pediatría en la Universidad de Pensilvania y el Hospital Infantil de Filadelfia.

El comité encargado del programa multidisciplinario se complace en anunciar sus primeras sesiones plenarias: *Mujeres y trastornos de la coagulación*, presentada por la doctora Michelle Sholzberg, del Hospital St. Michel's de Toronto; *Alianzas con pacientes: la siguiente etapa en la atención de la hemofilia*, a cargo del señor Vincent Dumez, codirector de la Oficina de colaboración y alianza con pacientes, de la Facultad de medicina de la Universidad de Montreal; *Empoderamiento a través de la atención a sí mismo*, con Patrick James Lynch, creador, productor ejecutivo y estrella de la galardonada serie cómica en línea sobre la hemofilia "Stop The Bleeding!". A cada una de



estas sesiones plenarias multidisciplinarias seguirá una sesión integral de 90 minutos de duración que profundizará sobre el tema principal de la plenaria.

La plenaria final del jueves 28 de julio será el resultado de un esfuerzo combinado de los comités encargados de los programas médico y multidisciplinario que abordará 'qué es una hemorragia', de acuerdo con un paciente, y 'cuál es la respuesta al tratamiento', definida por profesionales médicos.

Una vez más, los comités del programa del Congreso Mundial 2016 de la FMH se han esforzado por diseñar un programa innovador y dinámico, de amplio interés para médicos, científicos, profesionales de la salud de campos afines y pacientes, durante los cuatro principales días del Congreso. Una de las sesiones destacadas, titulada *Get Net-Smart: Privacy Protection, Assessment of Online Information,*

and Using Web-Based Tools in Bleeding Disorders Care, tendrá un componente interactivo que permitirá la participación de la comunidad en línea a través de encuestas electrónicas y *tweets* en vivo.

Los comités multidisciplinarios de la FMH también han diseñado sesiones especiales para pacientes y proveedores de atención médica sobre aspectos musculoesqueléticos, de ciencias de laboratorio, odontológicos, psicosociales y de enfermería que abordarán desafíos y soluciones para mejorar el tratamiento y la atención del paciente con trastornos de la coagulación.

La FMH y la NHF esperan poder darle la bienvenida a nuestro próximo congreso mundial en Orlando. Desde ahora y hasta el 22 de enero de 2016, ya están abiertas la inscripción temprana y la convocatoria para presentar resúmenes, en www.wfh.org/congress.

CONGRESO MUNDIAL 2016 DE LA FMH

10 SESIONES DE DESARROLLO PROFESIONAL

10 SESIONES PLENARIAS

2 SESIONES CON INFORMACIÓN ACTUALIZADA SOBRE ESTUDIOS CLÍNICOS

52 SESIONES GENERALES

12 SESIONES BASADAS EN RESÚMENES DE ARTÍCULOS DE INVESTIGACIÓN

Desde ahora y hasta el 22 de enero de 2016, ya están abiertas la inscripción temprana y la convocatoria para presentar resúmenes, en www.wfh.org/congress.

EL MUNDO DE LA HEMOFILIA

DICIEMBRE 2015 • Volumen 22, No. 3

Presidente

Alain Weill

Comité editorial

Antonio José Almeida

Alain Baumann

Marijke van den Berg

Jens C. Bungardt

Magdy El-Ekiaby

Sarah Ford

Assad Haffar

Vanessa Herrick

Jennifer Laliberte

Jay Poulton

David Silva

Alain Weill

Editor

Jay Poulton

Colaboradores

Marijke van den Berg

Mark Brooker

Roddy Doucet

Helene Fasciano-Lussier

Sarah Ford

Assad Haffar

Christine Herr

Vanessa Herrick

Debbie Hum

Stephanie Pineda

Jay Poulton

Alain Weill

Producción gráfica

Em Dash Design

Producción e impresión

AS Lithographe

Fotos

portada © livcool / Shutterstock.com

Las opiniones expresadas en *El mundo de la hemofilia* no necesariamente reflejan las de la FMH. Se permite la traducción y/o reproducción del contenido de *El mundo de la hemofilia* a organizaciones de hemofilia interesadas, siempre que se haga un reconocimiento apropiado de la FMH.

This publication is available in English.

Cette publication est disponible en français.

Traducido al español por Rosi Dueñas – McCormick & Assoc.

El mundo de la hemofilia está disponible en formato PDF en www.wfh.org.

COMUNÍQUESE CON NOSOTROS A:

1425, boul. René-Lévesque Ouest Bureau 1010

Montréal, Québec H3G 1T7 Canada

Tel: +1 (514) 875-7944

Fax: +1 (514) 875-8916

Correo-e: wfh@wfh.org

Internet: www.wfh.org



FMH

FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPIHIE
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA

CONGRESO
MUNDIAL
FMH 2016

Orlando, Estados Unidos · 24-28 de julio

LA MAYOR REUNIÓN
INTERNACIONAL PARA
**LA COMUNIDAD
MUNDIAL DE
TRASTORNOS DE LA
COAGULACIÓN**

Inscríbese para recibir el boletín informativo en www.wfh.org/congress



CONGRESO MUNDIAL 2016
24-28 DE JULIO

En colaboración con:



Organizado por:



Abordar la necesidad de un enfoque integral e integrado para el desarrollo de la atención de la salud

A principios del otoño formé parte de una delegación que viajó a Senegal, donde conmemoramos la ampliación del Programa de ayuda humanitaria de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH). Al hablar con los pacientes quedó claro que la ampliación de dicho programa permitirá un flujo más predecible y sustentable de productos de tratamiento a los países que más los necesitan. Esto también permitirá que ahora resulten beneficiadas comunidades periféricas y no nada más los principales centros o ciudades.

/Alain Weill, PRESIDENTE DE LA FMH

El otro punto que quedó claro para nuestra delegación fue que las labores de difusión e información son esenciales a fin de identificar a los pacientes con mayores necesidades. Los productos de tratamiento por sí solos no pueden resolver este desafío. Son los profesionales de la salud, las organizaciones de pacientes y los voluntarios quienes informan a las personas de sus comunidades acerca de cómo viven las personas con trastornos de la coagulación hereditarios. Sin embargo, esta tarea a menudo recae en redes de voluntarios ya de por sí sobrecargadas y con recursos insuficientes.

Cuando contemplamos la meta estratégica de la FMH de mejorar el acceso a productos de tratamiento seguros y eficaces mediante labores de cabildeo y donativos de productos, no podemos olvidar las otras áreas de importancia para los países en vías de desarrollo. Es imperativo que como comunidad global nos esforcemos por mejorar el diagnóstico y el acceso al tratamiento para todas las personas con trastornos de la coagulación hereditarios. La FMH continuará ayudando a desarrollar la capacidad de sus organizaciones nacionales miembros (ONM) a fin de atender mejor a la comunidad de trastornos de la coagulación hereditarios.

Los gobiernos de muchos países en vías de desarrollo no cuentan con recursos para comprar productos de tratamiento, y ni siquiera proporcionar atención básica para la hemofilia. La realidad para las personas con hemofilia en estos países es hacer frente a una vida con graves discapacidades o a una expectativa de vida trágicamente corta.

Con el propósito de abordar las necesidades de formación y capacitación de países que todavía no han desarrollado sistemas básicos

para la atención de la hemofilia, la FMH lanzó la Iniciativa Piedra Angular en 2013. Los países en vías de desarrollo pueden ser considerados para la implementación de la Iniciativa Piedra Angular cuando demuestran, a escala nacional o regional, iniciativa, motivación y potencial para desarrollar normas básicas de atención. Asimismo, la FMH ha dado su respaldo al programa de la Alianza Franco-Africana para el Tratamiento de la Hemofilia (AFATH), que colabora con la región subsahariana francoparlante en África. Este programa es coordinado por la Asociación Francesa de Hemofilia (AFH) y su objetivo principal es que estos países se unan a la FMH y se conviertan en una de sus ONM.

Una vez que han establecido normas básicas de atención y que cuentan con la capacidad para trabajar más a fondo en el mejoramiento de los cuidados para la hemofilia, estos países pueden ser candidatos a los programas por país de la FMH. Cuando un país participante en uno de estos programas de la FMH demuestra potencial para el establecimiento de un programa nacional de atención de la hemofilia que esté integrado al sistema de salud y que cubra todas las áreas del desarrollo de la atención de la hemofilia, puede ser considerado para formar parte del programa de la Alianza Mundial para el Progreso (AMP) en el tratamiento de los trastornos de la coagulación. El objetivo de la AMP es identificar 50,000 personas adicionales con trastornos de la coagulación hereditarios para el año 2022, de las cuales el 50 por ciento reside en las regiones más pobres del mundo.

La labor con las ONM de la FMH se realiza a través programas y actividades tanto por país como globales. Esto abarca colaborar con nuestras ONM en la implementación de programas nacionales de atención a fin de lograr cuidados integrales sustentables,

y planes de acción para el desarrollo de la atención en países específicos. Impartimos talleres de capacitación con el fin de ampliar los conocimientos y experiencia de profesionales médicos, así como con el propósito de desarrollar la capacidad de laboratorio para un diagnóstico preciso de los trastornos de la coagulación. Programas tales como Cabildeo en acción, y el Programa de hermanamiento de la FMH contribuyen a la implementación de las habilidades de liderazgo de nuestras ONM a escala nacional, regional y global. Lo anterior se complementa con la promoción del desarrollo de nuestras ONM mediante actividades tales como el Taller de capacitación mundial para ONM de la FMH.

Los programas por país y los programas de desarrollo de la atención médica de la FMH desempeñan un papel fundamental en combinación con el Programa de ayuda humanitaria de la FMH. La capacidad para identificar, diagnosticar, capacitar y proporcionar tratamiento a quienes más lo necesitan es parte del esfuerzo por impulsar nuestra visión de *Tratamiento para todos*. A la vez que la FMH se concentra en mejorar el acceso a productos de tratamiento seguros y eficaces mediante labores de cabildeo y donativos de productos, la labor continua a través de nuestros programas ayudará a mejorar y preservar la atención para las personas con trastornos de la coagulación hereditarios en todo el mundo.



Perspectiva histórica sobre el tratamiento de la hemofilia: Comprender el valor de la experiencia

/Marijke van den Berg, VICEPRESIDENTE MÉDICA DE LA FMH

A medida que ingresamos a una era de cada vez mayor escrutinio de los costos de la atención de la salud y las ventajas relacionadas con la administración de determinados regímenes de tratamiento, ha quedado muy claro que las evaluaciones de tecnologías de la salud (ETS) podrían hacer recomendaciones sobre la manera en la que se administra el tratamiento de la hemofilia. La pregunta que surge es si se utilizan o no las pruebas correctas para justificar decisiones financieras que podrían afectar considerablemente los resultados de salud de las personas con hemofilia. El desafortunado resultado son evaluaciones derivadas de datos que no toman en cuenta décadas de experiencia de tratamiento en personas reales y las considerables mejoras en la calidad de vida que regímenes de tratamiento como la profilaxis ofrecen a los pacientes.

En 1958, Biggs y Farlane publicaron un artículo histórico que proponía un diagnóstico de la hemofilia basado en la cantidad faltante de factor VIII ó IX. Así, la hemofilia grave se caracterizó por <1% FVIII/IX, la hemofilia moderada por >1<5%, y la hemofilia leve por >5%.

Estos primeros diagnósticos de laboratorio se correlacionaron con observaciones médicas en grupos de pacientes bien definidos en Suecia. En 1964, Ahlberg publicó un artículo que demostraba una clara correlación entre la gravedad de la hemofilia y la edad a la que se iniciaban las hemorragias, así como el número de hemorragias articulares.

Este fue el principal antecedente para que los profesionales de la salud optaran por la infusión periódica con componente plasmático, y posteriormente con crioprecipitado, a fin de incrementar los niveles de factor de coagulación en pacientes con hemofilia grave a los niveles presentes en pacientes con hemofilia moderada. Esto se ofreció por primera vez a los pacientes que presentaban hemorragias con mayor frecuencia y demostró claramente la reducción de las hemorragias.

Un desarrollo posterior obvio en el régimen de tratamiento profiláctico fue la disminución de la edad a la que se iniciaba esta terapia para incrementar los niveles pre-infusión por arriba del 1%. Esto condujo a la prevención eficaz de hemorragias y de hecho modificó el diagnóstico del paciente con hemofilia grave a hemofilia moderada.

Muchos estudios de observación han demostrado con excelentes resultados que esta estrategia es eficaz y ahora vemos que pacientes con hemofilia grave pueden tener una expectativa de vida normal, llegar a la edad adulta con articulaciones normales o casi normales, y ser totalmente capaces de practicar actividades similares a las de sus iguales.

Para la comunidad de hemofilia, particularmente en Europa, es inconcebible que este régimen de tratamiento básico basado en un bien definido concepto patofisiológico requiera de pruebas adicionales mediante ensayos controlados randomizados. No obstante, este debate está empezando a presentarse en varios países. El desafío para realizar ensayos controlados randomizados en casos de hemofilia es que los patrones hemorrágicos entre pacientes, aun aquellos con hemofilia grave, son variables. Las discapacidades resultantes de complicaciones debidas a hemorragias solo serían evidentes después de muchos años de monitoreo y seguimiento, lo que implicaría causar a los pacientes situaciones inevitables de complicaciones de salud adicionales de daño articular y sufrimiento.

El estudio clínico más importante que condujo por fin a la administración de profilaxis para niños en Estados Unidos lo realizaron Marilyn Manco-Johnson y sus colegas (NEJM 2007). En una comparación directa entre la administración de profilaxis y la terapia intensiva sobre pedido, luego de un periodo de seguimiento de seis años, se determinó que los niños que no presentaron hemorragias se encontraban más saludables que los niños que tenían que sufrir hemorragias. Este último grupo presentó más anomalías articulares identificadas mediante imágenes de resonancia magnética (MRI). En el estudio no hubo una correlación clara entre el número de hemorragias que presentaron estos niños y la gravedad del daño articular, determinado mediante MRI. Lo anterior demuestra la debilidad de utilizar únicamente la hemorragia como medida clínica a fin de determinar los resultados para el paciente, especialmente durante un periodo tan corto. Se han publicado más estudios de ensayos clínicos controlados randomizados y todos demuestran el resultado provechoso de la profilaxis; entre ellos, la última evaluación Cochrane del concepto de profilaxis concluyó que ésta ofrece resultados provechosos para pacientes con hemofilia.

Aun considerando las abrumadoras pruebas, tanto de estos estudios como de experiencias



reales de profesionales médicos que proporcionan tratamiento profiláctico a sus pacientes, la realidad es que ahora vivimos en la era de las ETS, diseñadas para determinar la correlación entre costo del tratamiento y resultados. Esto es particularmente prevalente cuando se requiere una determinación sobre el pago del tratamiento para una creciente población de pacientes con hemofilia.

La comunidad de hemofilia tiene que desempeñar un papel activo en las discusiones, pero también tiene que impulsar activamente la recolección de datos adicionales y apoyar esta tarea, particularmente en países que no tienen acceso al tratamiento a los mismos niveles que países desarrollados. La recolección de datos similar, en padrones bien definidos, desde el diagnóstico hasta la administración del tratamiento, constituye una oportunidad para demostrar que, sin tratamiento suficiente, los pacientes con hemofilia grave continúan padeciendo a causa de su trastorno y tienen una expectativa de vida más corta. Esto no nada más es crucial para países individuales que trabajan con miras a mejorar el acceso al tratamiento, sino también para la recolección de datos prospectivos sobre resultados del tratamiento en muchas partes del mundo.

En este sector de la atención de la hemofilia, la FMH está investigando cómo ofrecer un marco de referencia para la recolección de datos que ayude a la comunidad mundial a recopilar información valiosa sobre diagnóstico, puntajes hemorrágicos, regímenes de tratamiento y herramientas de valoración de resultados validadas. Optar por reducir el enfoque, como ha ocurrido en algunas de las más recientes ETS, es negar los muchos años de experiencia real de quienes trabajan directamente con poblaciones de pacientes que se han beneficiado considerablemente gracias a la profilaxis. Es nuestra responsabilidad no colocar a los pacientes en situaciones en las que su calidad de vida será puesta en riesgo durante muchos años debido al mayor énfasis asignado a los análisis financieros.



Noveno Foro mundial de la FMH sobre investigación y productos de tratamiento para los trastornos de la coagulación

El acceso a productos de tratamiento seguros y eficaces continúa mejorándose cada año debido a los incansables esfuerzos de cabildeo de la comunidad mundial de trastornos de la coagulación. Esta prioridad estratégica para la FMH, así como el apoyo permanente a la investigación médica que ofrece las pruebas necesarias para abogar por una mejor atención, quedaron vinculados integralmente mediante el Noveno foro mundial de la FMH.

/Mark Brooker, FUNCIONARIO SÉNIOR DE POLÍTICAS PÚBLICAS DE LA FMH

Por primera vez, la FMH combinó su Foro mundial sobre productos de tratamiento con su Foro mundial sobre investigación, cubriendo así los acontecimientos más recientes en ambos sectores. Los ponentes abordaron temas relativos a la seguridad y el abastecimiento de productos de tratamiento, además de comentar y debatir aspectos fundamentales y desafíos sobre investigación y estudios clínicos relacionados con los trastornos de la coagulación y los productos para su tratamiento. Más de 170 personas de más de 30 países participaron en el Noveno foro mundial, realizado del 22 al 23 de octubre, el cual reunió a grupos de pacientes, encargados de la reglamentación, representantes de la industria, fraccionadores sin fines de lucro, investigadores, y médicos dedicados al tratamiento de personas con trastornos de la coagulación.

El primer día del Foro mundial se centró en la seguridad y el abastecimiento de productos de tratamiento. Una sesión sobre la aparición de inhibidores en casos de hemofilia destacó la necesidad de continuar los esfuerzos para el desarrollo de la vigilancia a escala mundial a fin de monitorear y comprender el fenómeno de los inhibidores. A esta sesión siguió un análisis detallado de varios problemas de abastecimiento que afectan a nuestra comunidad mundial, entre ellos los esfuerzos de la FMH para incrementar el abasto mundial de concentrados de factor de coagulación de manera sustentable.

El segundo día estuvo dedicado a temas de investigación, entre ellos nuevos productos de tratamiento que no son concentrados de factor

de coagulación, y actualizaciones sobre varios estudios clínicos de terapia génica para las hemofilias A y B. También hubo un debate sobre cuál podría ser el costo de la terapia génica y cómo podría eventualmente implementarse alrededor del mundo. Igualmente se presentó el Programa de subvenciones de la FMH para investigación médica, y dos ponentes ofrecieron actualizaciones sobre el trabajo que realizan con el apoyo de esta iniciativa.

Durante la sesión de fabricantes que cerró el Foro Mundial, un número record de 10 empresas presentaron datos sobre productos de tratamiento recién aprobados o a punto de ser

aprobados, así como información sobre estudios clínicos actualmente en curso.

La Federación Mundial de Hemofilia desea agradecer a los siguientes patrocinadores su apoyo al Foro Mundial: Baxalta, Bayer, Biogen, CSL Behring, Hema Quebec, Ministerio de Relaciones Internacionales de Quebec (MRI), Novo Nordisk, Octapharma, Servicios Canadienses de Sangre y SOBI.

Las minutas del Foro mundial se publicarán a finales del año. Muchas de las presentaciones de la reunión ya están disponibles en nuestra página Internet.

PODEMOS HACER MÁS
PORQUE USTED ES NUESTRO MIEMBRO

Afíliase o renueve su membresía de la FMH hoy y ahorre
www.wfh.org/membership

 **FMH**
FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA



Ampliación del Programa de ayuda humanitaria de la FMH: Transformar las vidas de quienes más lo necesitan

En el hospital regional de Thies, Senegal, cerca de 20 familias estaban sentadas alrededor de una larga mesa de reuniones. Muchas viajaron más de una hora en autobús para asistir a este evento. Madres con sus hijos adolescentes, padres de la mano de sus niños pequeños, todos en busca de lo mismo: tratamiento para sus hijos, que ha sido muy difícil de obtener.

/Sarah Ford, DIRECTORA DE COMUNICACIONES Y COMERCIALIZACIÓN DE LA FMH

Cada familia compartió sus experiencias y expresó que están determinadas a que las cosas cambien. Lo más conmovedor fueron las historias de los niños que no estaban ahí, los que murieron pequeños debido a complicaciones de una hemorragia, los que fallecieron antes de siquiera recibir un diagnóstico.

Esta reunión fue el evento final de una visita de tres días a Senegal durante la cual la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) marcó el inicio de la entrega de donaciones de ayuda humanitaria hechas por las empresas farmacéuticas globales Biogen y Sobi. Los pacientes de la región que rodea a Thies se reunieron para contar sus historias y explicar lo que necesitan con urgencia: diagnóstico, información y tratamiento.

Justo antes de esta reunión con pacientes y sus familiares, la FMH coauspició un almuerzo con el profesor Saliou Diop, miembro del consejo directivo de la FMH y director del Centro Nacional de Transfusión Sanguínea en Dakar. A través de testimonios de miembros de la comunidad de trastornos de la coagulación, desde la perspectiva tanto de los pacientes como

de los profesionales de la salud que los atienden, este evento subrayó la realidad de la atención de la hemofilia en países en vías de desarrollo y la necesidad de donaciones de ayuda humanitaria de la FMH predecibles y sustentables. En la reunión participaron quienes encabezan los esfuerzos de donación a este programa, así como los principales representantes dedicados a la atención de los trastornos de la coagulación hereditarios en Senegal.

.....
*“Ampliar el Programa de ayuda humanitaria de la FMH constituye una de las maneras de impulsar su visión de *Tratamiento para todos*, a través de muchos años de planeación estratégica y labores de difusión a sus aliados a escala mundial.”*

Un momento importante durante este evento fue el anuncio del representante del Ministerio de Salud respecto a que la terapia de factor de reemplazo para el tratamiento de la hemofilia ahora se había agregado a la lista de medicamentos esenciales de Senegal. Este

logro fue posible gracias a la labor de cabildeo de muchos años de la Asociación Senegalesa de Hemofilia, y a profesionales de la salud del país como el profesor Diop. Asimismo, gracias a las donaciones de ayuda humanitaria de la FMH durante varios años, el gobierno senegalés pudo reconocer los exitosos resultados de la administración de la terapia de reemplazo de factor. En países como Senegal, el Programa de ayuda humanitaria de la FMH funciona como catalizador en la implementación de programas nacionales de atención sustentable para el tratamiento de los trastornos de la coagulación, además de convertirse en un incentivo que alienta a las autoridades de salud locales a invertir recursos en este necesario tratamiento.

Ampliar el Programa de ayuda humanitaria de la FMH constituye una de las maneras de impulsar su visión de *Tratamiento para todos*, a través de muchos años de planeación estratégica y labores de difusión a sus aliados a escala mundial. Mejorar el diagnóstico y el tratamiento en países emergentes y en vías de desarrollo ha sido una de las principales prioridades de la FMH, y el reconocimiento de que la ayuda humanitaria desempeña un papel integral como parte de esta estrategia ha



DÍA MUNDIAL DE LA HEMOFILIA 2016

.....
17 de ABRIL

Tratamiento para todos es la visión de todos

El 17 de abril, la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) invita a nuestra comunidad a reunirse y trabajar con miras a lograr la visión compartida de *Tratamiento para todos*. El Día mundial de la hemofilia constituye una oportunidad perfecta para incrementar la conciencia acerca de la hemofilia y otros trastornos de la coagulación hereditarios, pero también para reflexionar sobre la manera en la que cada uno de nosotros puede contribuir a mejorar las vidas de las personas que padecen uno de estos trastornos. A escala mundial, 1 de cada 1,000 personas padece un trastorno de la coagulación, pero la mayoría no recibe diagnóstico y tampoco tratamiento. Juntos podemos cambiar esta realidad.

Al celebrar el Día mundial de la hemofilia el 17 de abril y animar a las personas dentro y fuera de la comunidad de trastornos de la coagulación a que proporcionen información y apoyo a quienes lo necesitan, todos podemos desempeñar una labor a fin de lograr la meta compartida de que todas las personas que padecen un trastorno de la coagulación reciban diagnóstico y tratamiento.

El Día mundial de la hemofilia ofrece una oportunidad para hablar con familiares y amigos, colegas y proveedores de cuidados con el propósito de crear conciencia sobre los trastornos de la coagulación hereditarios e incrementar el apoyo para las personas que los padecen.



resultado fundamental. En años recientes ha quedado claro que hay algunos países en los que, por ahora, los gobiernos no cuentan con los recursos financieros a fin de proporcionar productos de tratamiento a los precios actuales para sus poblaciones con trastornos de la coagulación. La necesidad de un flujo de ayuda humanitaria sustentable y predecible es la única oportunidad para que estos grupos de pacientes y sus familiares tengan acceso al diagnóstico y subsecuente tratamiento.

Un número cada vez mayor de aliados de la comunidad mundial de trastornos de la coagulación ha aceptado este desafío y ha colaborado en los esfuerzos de ayuda humanitaria para proporcionar tratamiento a quienes más lo necesitan. A través del donativo de 500 millones de unidades internacionales de concentrados de factor que Biogen y Sobi harán a la FMH durante un periodo de cinco años, y junto con los esfuerzos continuos de los Servicios Canadienses de Sangre y las empresas Biotest y Grifols a través del Proyecto Recuperación, así como con la labor del Servicio Nacional de Sangre Italiano a través del Proyecto WISH, ahora habrá un flujo más predecible y sustentable de donaciones de ayuda humanitaria para la comunidad mundial de trastornos de la coagulación. Del mismo modo, CSL Behring y Grifols han firmado compromisos multianuales de donación de productos de tratamiento

que también contribuirán a la ampliación del Programa de ayuda humanitaria de la FMH.

A fin de garantizar que el Programa sea sustentable y que el canal de ayuda sea predecible es necesario un esfuerzo de colaboración entre empresas, países y la comunidad mundial de hemofilia. Con una mayor capacidad, es necesario continuar desarrollando la experiencia, mientras que las labores de difusión hacia quienes permanecen sin recibir diagnóstico siguen siendo una prioridad para la FMH. A fin de poder hacer realidad la visión de *Tratamiento para todos* se requiere una inversión continua en programas de desarrollo de la atención de la salud, recursos educativos, capacitación a profesionales médicos y creación de conciencia.

Durante su visita al centro de tratamiento de hemofilia en Dakar, la delegación de la FMH conoció a un jovencito llamado Bachir. Este chico empezó a recibir productos de tratamiento donados a través de la FMH hace más de cinco años. Sin este tratamiento y los cuidados recibidos del equipo de atención médica en Dakar, Bachir habría enfrentado mucho mayores obstáculos durante sus pocos años de vida. Él es uno de los muchos niños que experimentará un drástico cambio en su calidad de vida ahora que el tratamiento será más predecible.



Más de 2.9 millones de UI en ayuda humanitaria donadas hasta ahora a través del Proyecto Recuperación

La Federación Mundial de Hemofilia (FMH) encabeza el esfuerzo para combatir la falta de acceso a productos de tratamiento que enfrentan las personas con trastornos de la coagulación hereditarios en países en vías de desarrollo.

/ Assad Haffar, DIRECTOR DEL PROGRAMA DE AYUDA HUMANITARIA DE LA FMH

El Proyecto Recuperación, una innovadora iniciativa de ayuda humanitaria, ha desempeñado un papel integral a fin de proporcionar acceso consistente y predecible a tratamiento preservador de la vida a quienes más lo necesitan.

Originalmente concebido y apoyado por la Sociedad Canadiense de Hemofilia, el Proyecto Recuperación convierte pasta de crioprecipitado de desecho, proveniente de plasma de los Servicios Canadienses de Sangre, en concentrado de factor VIII con una vida de anaquel completa. Desde el arranque del proyecto a finales del 2013, y en alianza con Biotest, empresa encargada de la fabricación y envío del producto final, y con Grifols, responsable de la recolección del crioprecipitado y las pruebas al mismo, se han enviado más de 2.9 millones de unidades internacionales (UI) de concentrados de

factor para ayuda humanitaria a centros de tratamiento de todo el mundo.

Esta confiable fuente de ayuda humanitaria permitirá a la FMH canalizar cantidades sustentables y predecibles de productos de tratamiento de factor VIII. En el transcurso del próximo año se distribuirán otros 4.3 millones de UI a otros países, brindando un flujo continuo de productos de tratamiento a la red de la FMH.

El Proyecto Recuperación ha contribuido a la ampliación del Programa de ayuda humanitaria de la FMH, y el apoyo de la Sociedad Canadiense de Hemofilia, los Servicios Canadienses de Sangre, Grifols y Biotest demuestra su compromiso a escala mundial para apoyar a quienes más lo necesitan en la comunidad de trastornos de la coagulación. El liderazgo de estos aliados continuará siendo un modelo de cooperación y dedicación para otros países con situaciones similares a la de Canadá.

El Proyecto WISH ofrece apoyo esencial a fin de reducir la brecha en el acceso al tratamiento

Representantes de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) y del Centro Nacional de Sangre (CNS) de Italia firmaron el acuerdo del Proyecto WISH el 29 de junio de 2015, a fin de continuar ayudando a reducir la brecha que existe en el acceso a concentrados de factor de coagulación.

/ Assad Haffar, DIRECTOR DEL PROGRAMA DE AYUDA HUMANITARIA DE LA FMH

El Proyecto WISH (cuyo nombre es una contracción de “FMH y CNS por un abasto sustentable de productos de tratamiento para pacientes con hemofilia”, en inglés) es un programa de ayuda humanitaria consistente en la distribución, sin fines de lucro, durante un periodo de cinco años, de hasta 150 millones de UI de factor VIII. Estos productos se derivarán de donaciones de sangre voluntarias no remuneradas recibidas en Italia, fabricados con base en acuerdos de fraccionamiento, y excedentes del tratamiento de las necesidades de los pacientes con hemofilia italianos.

El objetivo de la alianza entre el CNS y la FMH es ofrecer a los países receptores un abasto de productos de mediano a largo plazo. Lo anterior con base en acuerdos específicos que se establecerán entre regiones italianas y países receptores.

El Proyecto WISH se fundamenta en el compromiso del CNS con el mandato de ayuda humanitaria de la FMH, y garantiza que los pacientes tengan una fuente de tratamiento. La empresa biofarmacéutica italiana Kedrion Biopharma, como actual aliada de las regiones italianas para la producción de productos medicinales derivados de plasma bajo el esquema de fraccionamiento por contrato, ha impulsado el desarrollo y el éxito de este acuerdo. La empresa ha asumido los costos reglamentarios y logísticos que representa el envío de los productos a los países receptores, ofreciendo así una valiosa contribución con el propósito de ampliar el acceso a las terapias de concentrados de factor en todo el mundo.

El Proyecto WISH demuestra el compromiso de estos aliados con la misión de la FMH, a fin de mejorar y preservar la atención para las personas que más la necesitan alrededor del mundo.

Mermelada casera, Pepaw y hemofilia



A la temprana edad de 15 años, Dylan DeMatteis, oriundo de Ohio, Estados Unidos, es ya fuente de inspiración como realizador cinematográfico, además de ser un ávido aficionado al rock and roll, coleccionar discos de vinilo y tocar la batería con la misma tenacidad con la que juega básquetbol. En su tiempo libre sigue las hazañas de su equipo de hockey favorito, los Monstruos del Lago Erie.

/Roddy Doucet, GERENTE INTERINO DE DONATIVOS ANUALES DE LA FMH

Pero el tiempo libre es escaso para este ocupado adolescente que sueña con estudiar cinematografía y viajar a Europa para compartir su amor por la música y adquirir la experiencia necesaria a fin de escribir y dirigir grandes historias para el cine y la televisión. Por si todo esto fuera poco, también tiene tiempo de controlar su hemofilia.

.....

“Después de decidir que el producto serían mermeladas caseras, los compañeros de Dylan votaron por donar todos los ingresos a la comunidad de hemofilia. Dylan quedó encantado con esta decisión y se dio cuenta de que la información y la participación constituyen la mejor manera de impulsar la misión de la FMH de *Tratamiento para todos*.”

.....

Con su entusiasmo por crear conciencia y animar a la comunidad e impulsado por la memoria de su abuelo, “Pepaw” Charles Carmen (presidente de la FMH durante el periodo 1988-1993), decidió cerrar esta brecha presentándose en su escuela para hablar de su experiencia con la hemofilia. Dylan admite que pensó que, en el mejor de los casos, sus compañeros se mostrarían ambivalentes pero que, para su gran sorpresa, después de su presentación todos sus amigos demostraron un nuevo grado de comprensión e interés por los trastornos de la coagulación.

Poco después, su profesor les asignó un proyecto en el que tendrían que manejar todos los aspectos de un pequeño negocio, desde el concepto hasta la producción, la comercialización y las ventas. Los estudiantes elegirían una organización de beneficencia local a la que donarían todas sus utilidades. Después de decidir que el producto serían mermeladas caseras, los compañeros de Dylan votaron por donar todos los ingresos a la comunidad de

hemofilia. Dylan quedó encantado con esta decisión y se dio cuenta de que la información y la participación constituyen la mejor manera de impulsar la misión de la FMH de *Tratamiento para todos*. Él es, sin duda, fuente de inspiración para la comunidad de trastornos de la coagulación. “Mi consejo para alguien que vive con hemofilia es pensar en ella como un regalo que te hace más fuerte que la mayoría de las personas y no como una maldición que te hace más débil, y tampoco usarla como excusa para autocompadecerse. Mi consejo para el amigo o amiga de una persona con hemofilia es que la apoyen y la ayuden a través de su amistad y escuchándola.”

Los donativos a la FMH apoyan programas educativos y de difusión en todo el mundo. Para saber cómo unirse a la creciente lista de personas que eligen el *Tratamiento para todos* mediante su apoyo financiero a la FMH, envíe hoy un mensaje de correo electrónico a Roddy Doucet, gerente interino de donativos anuales de la FMH, a rdoucet@wfh.org.

En secundaria, Dylan se dio cuenta de que sus compañeros no entendían lo que son los trastornos de la coagulación, una enfermedad que él ha controlado con ayuda de su familia y de un dedicado equipo de proveedores de atención médica desde que tiene memoria. Uno de sus primeros recuerdos es cuando recibió su “botón mágico”, un catéter subcutáneo que él rebautizó con este nombre para felicidad de su familia, quien poco después quedó maravillada ante su espíritu incontrolable durante una boda en la que bailó toda la noche, a pesar de una férula que tenía puesta para ayudar a la recuperación de una hemorragia espontánea.

PODEMOS
...
PORQUE USTED NOS APOYA
COLECTA ANUAL DE LA FMH 2015

wfh.org/donate



Una cálida despedida

/ Jay Poulton, EDITOR/COORDINADOR DE SERVICIOS EDITORIALES DE LA FMH

La Federación Mundial de Hemofilia (FMH) dice adiós a uno de los miembros más antiguos de su familia. Elizabeth Myles, directora operativa, ha decidido buscar nuevas aventuras y dejó su cargo en la FMH a finales de octubre.

En 1998, Elizabeth se unió a la FMH como encargada de publicaciones e información. Durante el tiempo en que colaboró con la FMH participó en ocho congresos mundiales, numerosos eventos internacionales, y una cantidad aparentemente incontable de reuniones, pero lo que ella más recuerda son las personas a las que conoció durante su trayectoria.

“He tenido el privilegio de formar parte de esta organización y de esta comunidad. Estoy muy orgullosa de las aportaciones que he hecho a la labor de la FMH, pero lo que más recordaré serán las personas. Al personal de la FMH durante el transcurso de los años, a su comité ejecutivo y sus voluntarios, a los líderes de las ONM, a los médicos, a las personas con trastornos de la coagulación; el compromiso de todos ellos ha sido fuente de inspiración para mí”, afirmó Elizabeth, “y me han brindado recuerdos que continuaré atesorando en el futuro.”

Durante los diecisiete años en los que Elizabeth colaboró con la FMH, la organización ha crecido enormemente, no solamente en sus operaciones internas, sino en la cantidad de programas dedicados a ayudar a la comunidad de trastornos de la coagulación.

A nombre de toda la comunidad de trastornos de la coagulación, la FMH expresa su más profundo agradecimiento a Elizabeth y le desea la mejor de las suertes en sus actividades futuras.

Liderazgo en capacitación: Una historia de Sudáfrica

Cuando la doctora Nomawethu Tonjeni, médica de Sudáfrica, presentó su solicitud al Programa de becas de los centros internacionales de entrenamiento en hemofilia (CIEHEMO) en 2012, quería aprenderlo todo acerca del diagnóstico y tratamiento de pacientes con trastornos de la coagulación.

/ Stephanie Pineda, FUNCIONARIA DE PROGRAMAS DE LA FMH

Habiendo participado anteriormente en talleres educativos en California y Sendai, así como en el Congreso Mundial 2010 de la FMH en Buenos Aires, estaba ávida por saber más. La beca le fue otorgada ese año y su capacitación tuvo lugar en el Centro de atención integral de la hemofilia de Manchester, Reino Unido (RU), bajo la dirección del profesor Charles Hay.

“Mi primera impresión fue la de un enorme primer mundo, un bien equipado hospital y el laboratorio más grande que he visto en mi vida”, comenta la doctora Tonjeni. “Los pabellones, las clínicas y el programa semanal estaban bien organizados.” El CIEHEMO tenía un equipo multidisciplinario conformado por médicos, profesionales de enfermería, científicos de laboratorio, fisioterapeutas y trabajadores sociales. La doctora considera que el personal le ofreció una capacitación de primer nivel porque para ella todos eran “excelentes y expertos profesores”.

Durante las cuatro semanas que duró la capacitación de la doctora Tonjeni en Manchester tuvo la oportunidad de aprender sobre diversos aspectos del tratamiento de la hemofilia. “Aprendí mucho sobre el tratamiento de mujeres embarazadas con trombosis o trastornos de la coagulación, un servicio que no se ofrece en mi país.” También participó en sesiones médicas de hematología pediátrica; aprendió acerca de la base de datos nacional del RU, la terapia en el hogar, y el uso de teléfonos inteligentes como herramientas; recibió tutoría sobre varias investigaciones de laboratorio relacionadas con hemofilia y hemostasia. Su programa abarcó observar el tratamiento concomitante de pacientes con otras disciplinas, tales como obstetricia y la clínica de VIH. Uno de los aspectos sobresalientes de su

estancia en el Real Hospital de Manchester fue la visita del equipo de acreditación nacional del RU al Centro de atención integral de la hemofilia de Manchester. “Fue una lección sobre cómo establecer un centro de hemofilia y lo que necesita estar disponible”, afirma la doctora Tonjeni.

Actualmente, la doctora Tonjeni visita hospitales y clínicas periféricas a fin de capacitar a otros médicos y profesionales de enfermería en el diagnóstico y tratamiento de pacientes con trastornos de la coagulación. También ayuda a crear conciencia en escuelas y ofrece pláticas en la radio. Como médica especialista en jefe y directora de la clínica de hemofilia del Centro hospitalario Nelson Mandela en Mthatha, la doctora Tonjeni ha notado un aumento en el número de pacientes que acude a la clínica. Comenta igualmente que la gerencia administrativa de su hospital la apoya totalmente y proporciona el presupuesto necesario para que la clínica tenga un abastecimiento continuo de factores de coagulación. Sus servicios de laboratorio también han mejorado, los fisioterapeutas han recibido capacitación para ponerlos al día, hay un urólogo para circuncisiones bajo supervisión médica, y ahora hay revisiones dentales periódicas para los pacientes.

La doctora Tonjeni forma parte de una red de más de 600 ex becarios del programa CIEHEMO, quienes están tratando de mejorar la atención de las personas con trastornos de la coagulación alrededor del mundo. Está agradecida por la capacitación que recibió en el CIEHEMO. “Me abrió los ojos a muchas cosas: cómo establecer una clínica, qué necesita estar disponible, la organización de la clínica, investigación, base de datos, terapia en el hogar, profilaxis, uso de teléfonos inteligentes, importancia de los servicios de apoyo (equipo multidisciplinario) y mucho más.”

La FMH agradece el apoyo exclusivo de Bayer a su Programa de becas CIEHEMO.

Ponentes en el Foro mundial destacan la necesidad de la vigilancia para el manejo de inhibidores

/Debbie Hum, COLABORADORA DE LA FMH

Los inhibidores –anticuerpos producidos por el sistema inmunológico contra el factor VIII o el factor IX infundido y que inutilizan la terapia– constituyen la principal complicación del tratamiento que enfrentan las personas con hemofilia en la actualidad, y están relacionados con mayores tasas de morbilidad y mortalidad, y con una considerable carga financiera, explicó el doctor Mike Soucie, de los Centros para el Control y la Prevención de Enfermedades (CDC por sus siglas en inglés) de Estados Unidos durante la sesión sobre inhibidores del Foro mundial 2015 de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH).

Para médicos e investigadores, los inhibidores representan un suceso multifactorial. Para investigar los inhibidores en un trastorno poco común, en el futuro será necesaria extensa colaboración a escala internacional. Luego de los talleres sobre inhibidores de la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) de Estados Unidos y de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) en 2003 y 2005, las agencias reguladoras declararon que los estudios clínicos son inadecuados para evaluar el riesgo y recomendaron la vigilancia a largo plazo mediante el uso de padrones.

VIGILANCIA DE INHIBIDORES EN ESTADOS UNIDOS

El Estudio de investigación sobre inhibidores en hemofilia (HIRS por sus siglas en inglés) se inició en Estados Unidos en 2006 como un proyecto piloto para la vigilancia prospectiva de inhibidores a escala nacional. Los principales hallazgos del estudio HIRS, reportados en 2012, confirmaron que todos los pacientes con hemofilia corren un riesgo, el cual es mayor en pacientes con hemofilia A grave, con una tasa de incidencia de 25 a 30% durante los primeros 50 días de exposición al medicamento. También se presentan inhibidores en pacientes con hemofilia leve, en pacientes con mutaciones de bajo riesgo, y en pacientes con más de 150 días de exposición al tratamiento, a pesar de que el riesgo después de este periodo es muy poco común. La vigilancia de los inhibidores a escala nacional requiere un protocolo estandarizado que especifique qué pacientes se someterán a las pruebas, los intervalos de las mismas, y pruebas estandarizadas y centralizadas, recaló el doctor Soucie.

TALLER SOBRE INMUNOGENICIDAD DE LA FDA

Los inhibidores presentan numerosos desafíos para diversas partes interesadas, señaló el

doctor Glenn Pierce, miembro médico del consejo directivo de la FMH. Para pacientes, proveedores de cuidados y el sistema de atención de la salud, los inhibidores representan costos tanto financieros como humanos en términos de mayor morbilidad, y la posibilidad de circunstancias que ponen en peligro la vida y conducen a mortalidad. Para la industria, la aparición de inhibidores durante la producción de nuevos fármacos presenta riesgos adicionales en los costos de desarrollo de medicamentos. La falta de herramientas de predicción implica que los anticuerpos solo se detectan tardíamente, en la fase 3 de los estudios, cuando ya se ha incurrido en considerables gastos. Para las agencias reguladoras, los nuevos productos resultado de la bioingeniería se están convirtiendo en la norma; sin embargo, las consecuencias inmunológicas de los nuevos epítomos son difíciles de evaluar dado que se requieren grandes poblaciones de pacientes.

El doctor Pierce presentó un informe resumen acerca del taller público de la FDA sobre nuevos métodos para predecir la inmunogenicidad de las proteínas de coagulación terapéuticas, realizado en septiembre de 2015. El taller se centró en los determinantes genéticos de la inmunogenicidad y destacó la importancia de muestras clínicas bien caracterizadas. También abordó recursos tales como padrones y bases de datos sobre la hemofilia, iniciativas de genotipificación y muestras biológicas, y resaltó la importancia de la integración de los datos a fin de lograr mejores resultados para los pacientes.

Las proteínas de coagulación de diseño innovador, surgidas del proceso de investigación y desarrollo de fármacos, presentan nuevas preocupaciones, además de que se han identificado mayores riesgos para subgrupos de pacientes, afirmó el doctor Pierce. “Virtualmente

todos los fármacos biotecnológicos provocan respuestas inmunes en algunos pacientes, aunque por lo general solamente en fracciones muy pequeñas. Sin embargo, las reacciones generan cada vez más preocupación debido al incremento en el número de fármacos proteicos.”

TALLER DE LA EMA SOBRE PADRONES DE HEMOFILIA

El principal reto de los padrones de hemofilia es que no existe una estructura general sobre cómo administrar, diseñar o auspiciar la recolección de datos, declaró la doctora Anneliese Hilger, del Instituto alemán Paul Ehrlich y de la EMA. Hilger presentó un resumen del taller de la EMA sobre padrones de hemofilia, realizado en Londres, en julio de 2015.

El taller abordó varias preguntas fundamentales, entre ellas si el actual número de padrones de hemofilia mejora la seguridad de los pacientes y conduce a una mejor investigación en el campo de la hemofilia. Los participantes en el taller lograron diversos e importantes puntos de consenso sobre lo que se necesita para mejorar la recolección de datos sobre la hemofilia. Idealmente, todos los pacientes deberían estar incluidos en un padrón del trastorno, y los pacientes inscritos en estudios clínicos deberían permanecer en los padrones. Se requieren identificadores de pacientes para evitar traslapes entre padrones y reducir conteos duplicados. Se necesita la colaboración entre todas las partes interesadas, así como el acuerdo con encargados de la reglamentación y otras partes interesadas sobre un protocolo o conjunto de datos mínimo. Asimismo, es importante vincularse con las iniciativas de padrones de otras enfermedades poco comunes ya que habrá temas en común. Por último, es necesario armonizar los padrones nacionales y fomentar y apoyar más padrones nacionales y el aseguramiento de la calidad.

PREMIOS DE LA FMH AL VOLUNTARIADO

¿CONOCE A ALGUIEN QUE HAYA HECHO UNA APORTACIÓN DESTACADA A LA ATENCIÓN DE LA HEMOFILIA A ESCALA MUNDIAL?

La FMH ya está aceptando nominaciones al Premio internacional Frank Schnabel al voluntariado y al Premio internacional al voluntariado en la atención de la salud.

Para obtener más información y presentar su nominación visite www.wfh.org/awards.



Las subvenciones de la FMH para investigación médica apoyan nuevos estudios médicos

Lize van Vulpen sabe que sin el apoyo de la subvención para investigación médica de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) tal vez nunca hubiera podido realizar su investigación sobre distensión articular en el tratamiento de la artropatía del tobillo en personas con hemofilia.

/Christine Herr, COORDINADORA DE DATOS E INVESTIGACIÓN DE LA FMH

“Además del apoyo financiero, la subvención también fue un reconocimiento por parte de la FMH de que nuestra investigación era importante y que valía la pena llevarla a cabo. Esto me ayudó a convencer a todas las personas con las que necesitaba colaborar para hacer posible este proyecto”, explica van Vulpen.

Van Vulpen, receptora de la subvención en el 2014, junto con su colega de investigación, Roger Schutgens, del Centro Médico Universitario de Utrecht, Holanda, quería estudiar el valor de la distensión articular desde el punto de vista del paciente, siendo el objetivo principal los síntomas y la funcionalidad.

“La subvención requiere un objetivo médico directo. Esto se adaptaba perfectamente a la propuesta que estaba redactando”, comenta van Vulpen.

El objetivo médico directo ofrece a los investigadores un medio para incidir directamente en el tratamiento de las personas con trastornos de la coagulación hereditarios, y posiblemente sentar las bases para mejorar las vidas de los pacientes.

“Al diseñar mi investigación, primero trato de formular lo que el problema representa para el paciente. Desde este punto de vista, trato de formular una pregunta de investigación que en última instancia contribuya al mejoramiento de la vida de los pacientes. Algunas veces, esta



relación es difícil de observar, ya que también estoy realizando investigación básica. Pero, por ejemplo, estoy convencida de que la investigación centrada en la identificación de biomarcadores del daño articular al final conduce a mejores y más sensibles estudios que investigan el impacto de nuestra intervención en los resultados articulares.”

Desde el lanzamiento del programa en 2013, la FMH ha otorgado un total de 8 subvenciones/proyectos financiados.

Se ha distribuido un total de \$363,770. Cabe mencionar que parte de esta cantidad se distribuirá a principios del 2016, como segundo año de financiamiento a los ganadores de las subvenciones de 2015.

Nominaciones al consejo directivo de la FMH

Los miembros del consejo directivo de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) desempeñan un papel clave a fin de establecer la orientación estratégica de la organización y asegurarse de que ésta represente las necesidades de la comunidad mundial de trastornos de la coagulación. Los miembros del consejo son electos durante la Asamblea General de la FMH, inmediatamente después de su Congreso Mundial. Las organizaciones nacionales miembros (ONM) de la FMH que se encuentran totalmente acreditadas y al corriente en el pago de sus cuotas pueden nominar a candidatos para la elección a cargos del consejo directivo. Las nominaciones de candidatos al consejo directivo se aceptarán a partir del 1º de marzo de 2016. Las personas interesadas en participar en las elecciones para los cargos del consejo directivo deberían comunicarse con la ONM de su país para expresar su interés en ser nominadas.

Se elegirán los siguientes cargos: presidente, dos miembros legos (personas con un trastorno de la coagulación o padres

de las mismas), y dos miembros médicos. Estos cargos son por un periodo de cuatro años. Cada ONM puede presentar una nominación para el cargo de presidente. Además, cada ONM puede nominar a dos candidatos médicos (doctores en medicina), y a dos candidatos legos (personas con un trastorno de la coagulación o padres de las mismas), una de su propio país o región y otra de cualquier parte del mundo. Todas las nominaciones deben estar firmadas por el presidente/director de la ONM que presenta la nominación. Después de la fecha límite para presentar nominaciones, la FMH contará las nominaciones recibidas y determinará si las personas nominadas han recibido un número suficiente de nominaciones para presentarse a la elección. Sesenta días antes de la Asamblea General, la sede de la FMH distribuirá para consideración de todas las ONM la lista final de candidatos junto con su currícula. Durante la Asamblea General de la FMH, todas las ONM elegibles votarán por los candidatos de su elección para los cargos respectivos.

Las nominaciones deberán recibirse en la sede de la FMH a más tardar
el 30 de abril de 2016 a las 17:00 Hora del Este.

Para obtener más información sobre los cargos del consejo directivo y el proceso de nominaciones y elecciones envíe un mensaje a: WFHElections2016@wfh.org.

Agradecimientos

En reconocimiento a las organizaciones que se han comprometido con la FMH o que han contribuido a su misión en 2015.

PATRONO

Jan Willem André de la Porte

CONTRIBUCIONES ANUALES IRRESTRINGIDAS

Baxalta
Bayer
Biogen
Biotest
CSL Behring
Gilead
Green Cross
Grifols
Kedrion
LFB
Novo Nordisk
Octapharma
Pfizer
Precision BioLogic
Sanquin
SOBI

SEGUNDA DÉCADA DEL PROGRAMA DE LA ALIANZA MUNDIAL PARA EL PROGRESO (AMP)

Aliada visionaria
Baxalta

Aliada de liderazgo
CSL Behring

Aliadas colaboradoras

Bayer
Biogen
Biotest
Grifols
Kedrion
Novo Nordisk
Pfizer
SOBI

PROGRAMAS PATROCINADOS

Programa para ONM *Cabildeo en acción*
Baxalta

Programa de hermanamiento
Pfizer

Programa IEQAS
Novo Nordisk Haemophilia Foundation

Programa de becas CIEHEMO
Bayer

Programa de investigación de la FMH
Baxalta
Bayer
Grifols
Haemophilia Center of Western Pennsylvania 340B Program

Congreso musculoesquelético patrocinador platino: Baxalta, Novo Nordisk

Foro mundial

Baxalta
Bayer
Biogen
Canadian Blood Services
CSL Behring
Héma Québec
Ministère des Relations internationales, de la Francophonie
Novo Nordisk
SOBI

Página Internet

Sección sobre profilaxis: Biogen
Sección sobre trastornos de la coagulación poco comunes: Novo Nordisk
Sección sobre enfermedad de Von Willebrand: Octapharma

Proyecto de localización

Árabe: Pfizer
Japonés: Biogen
Ruso: SOBI
Chino simplificado: Bayer

Programa de ayuda humanitaria

Baxalta
Biogen-Sobi
Biotest
CSL Behring
Grifols
Novo Nordisk
Pfizer

Otros programas patrocinados

Simposio nacional de trastornos de la coagulación; Biotest

Fondo en memoria de Susan Skinner: Hemophilia Alliance Foundation

Iniciativa africana de la FMH: Pfizer
Taller sobre el cuidado de la hemofilia: Kedrion, Erongomed
Taller sobre la enfermedad de Von Willebrand: LFB

Día mundial de la hemofilia

Baxalta, Bayer, Biogen, CSL Behring, Novo Nordisk, Precision BioLogic, SOBI

ORGANIZACIONES

Achillion Consulting Limited
Arizona Hemophilia Association
Association française des hémophiles*
Bayer Healthcare
Canadian Hemophilia Society*
Colorado Chapter of the National Hemophilia Foundation
Community West Foundation
CSL Limited (Australia)
Ethical Factor Rx
Fondazione Angelo Bianchi Bonomi
GE Canada
Haemophilia Association of Mauritius*
Hemophilia Association of the Capital Area
Hemophilia Foundation of Oregon
Hemophilia of Georgia
Hemophilia of North Carolina
Hudson Montessori Middle School
Irish Haemophilia Society*
LA Kelley Communications, Inc.
M.T.L. Bagel
Myers Plumbing & Heating Inc.
National Hemophilia Foundation (EE. UU.)*
Opticom International Research AB
The Marketing Research Bureau
Virginia Hemophilia Foundation

Calendario de eventos

9ª conferencia anual de la Asociación Europea para la Hemofilia y Trastornos Afines

3 al 5 de febrero de 2016
Malmö, Suecia
Tel.: 44 (0)1355 244 966
Fax: 44 (0)1355 249 959
www.eahad2016.com

60ª reunión anual de la Sociedad para la Investigación de la Trombosis y la Hemostasia

17 al 20 de febrero de 2016
Münster, Alemania
Tel.: 49 (0)30 20 45 936
Correo-e: gth@mci-group.com
www.gth2016.org

Taller Asia Pacífico de la IPFA sobre calidad y abastecimiento de plasma

8 al 9 de marzo de 2016
Taipéi, Taiwán
Tel.: 31 20 512 3561
Correo-e: info@ipfa.nl
www.ipfa.nl

Congreso internacional sobre proteína de plasma de la PPTA

22 al 23 de marzo de 2016
Barcelona, España
www.pptaglobal.org

13º congreso internacional de hemofilia de Turquía

17 al 19 de abril de 2016
Estambul, Turquía
www.turkiyehemofilikongresi.com

23º taller internacional IPFA/PEI sobre "Vigilancia y detección de patógenos transportados por la sangre"

25 al 26 de mayo de 2016
Lisboa, Portugal
Tel.: 31 20 512 3561
Correo-e: info@ipfa.nl
www.ipfa.nl

Congreso Internacional 2016 de la FMH

24 al 28 de julio de 2016
Orlando, Estados Unidos
Tel.: 514-394-2834
Correo-e: info2016@wfh.org
www.wfh.org/congress/en

Jornadas españolas de hematología

20 al 21 de abril de 2017
Buenos Aires, Argentina
www.acamedbai.org.ar/iihema.php

*La FMH se enorgullece en reconocer el apoyo de sus organizaciones nacionales miembros

¡EL MUNDO DE LA HEMOFILIA DESEA TENER NOTICIAS SUYAS!

Las actividades de las personas con hemofilia y sus organizaciones son importantes para todos los miembros de la comunidad mundial de trastornos de la coagulación. Agradeceremos historias, cartas y sugerencias para artículos. Por favor envíelos a:

Editor, El mundo de la hemofilia
1425, boul. René-Lévesque Ouest, bureau 1010
Montréal, Québec H3G 1T7, Canada
Correo-e: jpoulton@wfg.org

TRATAMIENTO PARA TODOS LA VISIÓN DE TODOS



DÍA MUNDIAL DE LA HEMOFILIA 2016 | 17 DE ABRIL

A ESCALA MUNDIAL, 1 DE CADA
1 000 PERSONAS PADECE UN
TRASTORNO DE LA COAGULACIÓN.
LA MAYORÍA PERMANECE SIN RECIBIR
DIAGNÓSTICO Y TRATAMIENTO.



JUNTOS PODEMOS CAMBIAR ESTA SITUACIÓN



wfh.org/whd

 facebook.com/wfhemophilia

 [@wfhemophilia](https://twitter.com/wfhemophilia)
Sigue las últimas noticias sobre hemofilia
en el mundo en #WorldHemoDay



FMH

FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA